



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/672441/2022
EMA/H/C/005830

Roctavian (*waloktokogen roksaparwoweku*)

Przegląd wiedzy na temat leku Roctavian i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Czym jest lek Roctavian i w jakim celu się go stosuje

Roctavian jest lekiem stosowanym w leczeniu ciężkiej postaci hemofilii A, dziedzicznego zaburzenia krzepnięcia krwi wynikającego z braku białka krzepnięcia znanego jako czynnik VIII. Lek stosuje się u osób dorosłych, u których nie występują inhibitory (przeciwciała) przeciwko czynnikowi VIII i u których nie występują przeciwciała przeciwko serotypowi 5 adenowirusa (AAV5).

Substancją czynną zawartą w leku Roctavian jest waloktokogen roksaparwoweku. Lek Roctavian jest rodzajem leku do zaawansowanego leczenia, zwanym produktem terapii genowej. Jest to rodzaj leku, którego działanie polega na dostarczaniu genów do organizmu.

Ze względu na to, że hemofilię A uznano za chorobę rzadko występującą, w dniu 21 marca 2016 r. lek Roctavian uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocemu można znaleźć tutaj: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/EU3161622

Jak stosować lek Roctavian

Lek wydawany na receptę. Leczenie należy rozpoczynać pod nadzorem lekarza z doświadczeniem w leczeniu hemofilii lub zaburzeń krzepnięcia. Lek należy podawać w placówce wyposażonej w sprzęt do szybkiego leczenia reakcji związanych z wlewem.

Lek Roctavian podaje się w jednym wlewie dożylnym (kroplówce) trwającym kilka godzin. Wielkość dawki zależy od masy ciała pacjenta. Pacjentom można podawać inne leki w celu zmniejszenia ryzyka wystąpienia reakcji związanych z wlewem.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Roctavian znajduje się w Ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

Jak działa lek Roctavian

Lek Roctavian jest wykonany z wirusa (AAV5), który został zmodyfikowany w taki sposób, aby zawierał gen czynnika VIII, którego brakuje u pacjentów z hemofilią A. W następstwie podania pacjentowi wirusa należy spodziewać się, że przeniesie on gen czynnika VIII do komórek wątroby, co umożliwi im

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



wytwarzanie brakującego czynnika VIII przez długi czas. Oczekuje się, że będzie to kontrolować zaburzenia krwawienia.

Rodzaj wirusa zastosowany w tym leku (wirus zależny od adenowirusów) nie wywołuje choroby u ludzi.

Korzyści ze stosowania leku Roctavian wykazane w badaniach

W badaniu głównym z udziałem 134 dorosłych mężczyzn z ciężką postacią hemofilii A wykazano, że lek Roctavian skutecznie zwiększał poziom aktywności czynnika VIII i że wzrost ten utrzymywał się przez co najmniej 2 lata. 104 tygodnie po otrzymaniu jednej dawki leku u 75,4% pacjentów średni poziom aktywności czynnika VIII wynosił co najmniej 5 jednostek międzynarodowych na decylitr (j.m./dl), co jest miarą łagodnej hemofilii. Ponadto roczna liczba epizodów krwawienia zmniejszyła się o 85,5%, a konieczność dodatkowego leczenia zastępującego czynnik VIII zmniejszyła się o 97,5%.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Roctavian

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Roctavian (mogące wystąpić częściej niż u 3 na 10 pacjentów) to: zwiększenie stężenia enzymów wątrobowych, aminotransferazy alaninowej i aminotransferazy asparaginianowej (oznaki możliwych problemów z wątrobą), zwiększenie stężenia enzymu dehydrogenazy mleczanowej (oznaki możliwego uszkodzenia tkanek), nudności (mdłości) i ból głowy. Pełny wykaz działań niepożądanych związanych ze stosowaniem leku Roctavian znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

Leku Roctavian nie wolno podawać osobom, u których występuje nadwrażliwość (alergia) na którykolwiek ze składników leku lub u których występuje czynne lub przewlekłe (długotrwałe) zakażenie, które nie jest kontrolowane przez leki, znaczne zwłóknienie wątroby lub marskość wątroby (bliznowacenie wątroby).

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Roctavian w UE

Pacjenci z hemofilią A wymagają leczenia przez całe życie za pomocą co najmniej jednego wstrzyknięcia raz na tydzień lub miesiąc, aby zastąpić brakujący czynnik VIII lub imitować go. Wykazano, że lek Roctavian skutecznie zwiększa poziom aktywności czynnika VIII u pacjentów z hemofilią A, a wzrost ten utrzymuje się przez co najmniej 2 lata. Europejska Agencja Leków (EMA) uznała również, że lek Roctavian jest podawany w jednym wlewie, co oznacza zmniejszenie obciążenia związanego z leczeniem u pacjentów z ciężką postacią hemofilii A przez co najmniej 2 lata. Chociaż dane dotyczące długoterminowego bezpieczeństwa są ograniczone, profil bezpieczeństwa uznano za akceptowalny.

Lek Roctavian uzyskał warunkowe dopuszczenie do obrotu. Oznacza to, że Agencja uznała, że korzyści płynące ze stosowania leku Roctavian przewyższają ryzyko, ale firma będzie musiała przedstawić dodatkowe dowody po dopuszczeniu do obrotu.

Warunkowe dopuszczenie do obrotu jest przyznawane na podstawie mniej kompleksowych danych niż te, które są zwykle wymagane. Przyznaje się je w odniesieniu do leków, które spełniają niezaspokojoną potrzebę medyczną w zakresie leczenia poważnych chorób i w przypadku, gdy korzyści z ich wcześniejszej dostępności przewyższają ryzyko związane ze stosowaniem tych leków w czasie oczekiwania na dalsze dowody. Co roku Agencja dokona przeglądu wszelkich nowych informacji, które będą dostępne do czasu, gdy dane staną się wyczerpujące i w razie potrzeby uaktualni niniejsze ogólne informacje.

Jakich informacji jeszcze brakuje na temat leku Roctavian

W związku z tym, że lek Roctavian uzyskał warunkowe dopuszczenie do obrotu, firma wprowadzająca lek Roctavian do obrotu dostarczy dodatkowe dane z trwających badań dotyczących długoterminowego bezpieczeństwa i skuteczności leku u pacjentów z ciężką postacią hemofilii A i przeprowadzi badanie dotyczące najlepszego momentu rozpoczęcia leczenia kortykosteroidami u tych pacjentów, w celu uniknięcia problemów z wątrobą. Firma dostarczy również dane z rejestru pacjentów otrzymujących lek Roctavian, w celu zbadania jego długoterminowego bezpieczeństwa i skuteczności.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Roctavian

Firma wprowadzająca lek Roctavian do obrotu udostępni pacjentom i personelowi medycznemu materiały edukacyjne wyjaśniające korzyści, ryzyko i wątpliwości dotyczące długoterminowych skutków stosowania leku. Pacjenci otrzymają także kartę pacjenta informującą personel medyczny o przyjmowaniu leku Roctavian w celu leczenia hemofilii A.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Roctavian w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto również zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane na temat stosowania leku Roctavian są stale monitorowane. Podejrzewane działania niepożądane leku Roctavian są starannie oceniane i podejmowane są wszystkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Roctavian

Dalsze informacje na temat leku Roctavian znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: : ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/roctavian.